
СОЦИАЛЬНО-ЭКОНОМИЧЕСКИЕ И РЕГИОНАЛЬНЫЕ АСПЕКТЫ ЛЕКАРСТВЕННОЙ ПОМОЩИ БОЛЬНЫМ С РЕДКИМИ ЗАБОЛЕВАНИЯМИ В ОМСКОЙ ОБЛАСТИ

**В.Е. Атавин, Е.Е. Лоскутова,
М.М. Курашов**

Кафедра управления и экономики фармации
Российский университет дружбы народов
ул. Миклухо-Маклая, 8/2, Москва, Россия, 117198

Л.В. Шукиль

Управление фармацевтической деятельности
Министерства здравоохранения Омской области
ул. Ленина, 15, Омск, Россия, 644099

В статье исследованы особенности организации лекарственной помощи больным с редкими заболеваниями в России, в том числе на уровне региона. Для совершенствования этой системы целесообразно изучение зарубежного опыта в области разработки, производства и регистрации орфанных препаратов.

Ключевые слова: редкие заболевания, орфанные заболевания, орфанные лекарственные препараты, 7 высокочувствительных нозологий.

В России на сегодняшний день актуальным вопросом является совершенствование системы лекарственного обеспечения больных редкими (орфанными) заболеваниями, затрагивающее целый ряд медицинских и социальных проблем. Основные направления государственной политики в данной области сформулированы в проекте «Стратегии по развитию системы оказания помощи больным с редкими заболеваниями в России на краткосрочный плановый период 2013—2016 гг.», разработанной общественными организациями совместно с Минздравом РФ и экспертным сообществом, которая была представлена на конференции с международным участием «Стратегия России в области редких заболеваний» 28 февраля 2013 г. В стратегии изложены механизмы использования системного подхода к профилактике, ранней диагностике, лечению, эпидемиологическим, наблюдательным и клиническим исследованиям, а также социальной помощи больным орфанными заболеваниями. Данный документ может стать основой для создания нормативной базы в области лекарственной помощи больным с редкими заболеваниями.

Впервые термин «орфанные болезни» (болезни-сироты) появился, когда в США был принят «Закон об орфанных препаратах» (Orphan Drug Act of 1983), предназначенный для поощрения фармацевтических компаний, разрабатывающих лекарственные препараты (ЛП), имеющие небольшой рынок. В этом законе было определено 1600 редких болезней [4; 6].

Через 14 лет, в 1997 г., была основана Европейская организация по редким заболеваниям (EURORDIS — European Organization for Rare Diseases) — неправительственный Союз активных пациентов с редкими болезнями, занимающийся

организацией исследований в этой области, лекарственным обеспечением больных и улучшением качества их жизни, объединяющий 631 организации пациентов с редкими заболеваниями из 58 стран [5].

Редкими заболеваниями обычно называют болезни, поражающие лишь небольшой процент от всего населения в целом, однако равномерной распространенности для них в популяции не существует. В частности, заболевание может считаться редким только в одном регионе или среди определенной группы людей, но быть достаточно широко представлено в других областях [6].

В странах ЕС было принято следующее определение термина: «редкое заболевание» — это угрожающее жизни и здоровью хроническое заболевание, которое имеет настолько низкую встречаемость, что необходимо применение специальных усилий для предотвращения заболеваемости, ранней смертности и снижения качества жизни больных. Фактически, по данным Европейского агентства лекарственных средств (ЕМЕА), в Европе к числу редких относят жизнеугрожающие или хронические прогрессирующие заболевания, поражающие не более 5 человек из 10 000. Для сравнения, в США болезнь считается редкой, если ей подвержены не более 200 тыс. человек (Orphan Drug Act of 1983). По данным организации Orphanet, в настоящее время в мире существует около 20 000 различных редких нозологий, и новые случаи заболеваний описываются в медицинской литературе еженедельно (Orphanet Report Series — July 2014) [4].

По оценкам EURORDIS, несмотря на малую встречаемость, в совокупности орфанные заболевания могут поражать значительную часть населения (около 6,0—8,0%). По данным ЕМЕА, в Евросоюзе редкими заболеваниями страдают около 30 млн человек, что составляет 6,0% от общего количества населения согласно информации World Population Statistics на 2014 г. Для мониторинга за данными категориями больных используются и постоянно обновляются международные регистры, которые включают значительное количество пациентов с различными орфанными заболеваниями [1].

В РФ законодательно определение «орфанного заболевания» закреплено в Федеральном законе № 323 «Об основах охраны здоровья граждан в Российской Федерации» (2011 г.), в соответствии с которым к ним относятся нозологии, имеющие распространенность не более 10 случаев заболевания на 100 тысяч населения.

В Минздраве РФ был составлен список редких болезней (последняя редакция 07.05.2014), в который вошло 215 наименований («Большой список»), которыми в нашей стране, по данным аналитиков, страдают до 5 млн человек, что составляет 3,5% всего населения. Также был сформирован «перечень жизнеугрожающих и хронических прогрессирующих редких заболеваний, приводящих к сокращению продолжительности жизни граждан или их инвалидности», включающий в целом 58 нозологий (Постановление правительства РФ от 26 апреля 2012 г. № 403). Для болезней этого перечня был составлен регистр, куда, по данным экспертов, входит около 11,5 тыс. пациентов, среди которых 58,5% детей. В России точное количество больных редкими болезнями не определено из-за проблем с ранней

диагностикой. По оценкам аналитиков, учитывая все возрастные категории, фенилкетонурией страдают 3600 чел., муковисцидозом — 2200, галактоземией — 196, болезнью Гоше — 173, мукополисахаридозом — 86, несовершенным остеогенезом — 1000 детей и т.д. [3; 6; 7].

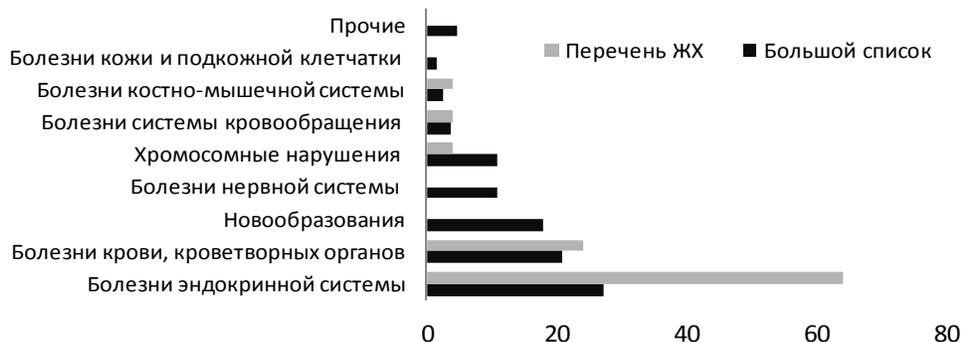


Рис. 1. Соотношение редких нозологий, включенных в «Большой список» и перечень жизнеугрожающих и хронических прогрессирующих заболеваний (ЖХ), %

На рис. 1 видно, что наиболее распространенными среди редких нозологий «большого списка» и перечня жизнеугрожающих и хронических прогрессирующих заболеваний являются болезни эндокринной системы, составляющие 28,0% и 64,0% соответственно, далее по порядку следуют болезни крови — 21,0% и 24,0% и новообразования — 18,0%.

Термин «орфанные (редкие, сиротские) лекарственные препараты» обычно применяется для обозначения специфических ЛП, используемых при лечении редких, хронических и опасных для жизни заболеваний. Препараты данной группы получили свое название вследствие крайне небольшого числа потенциальных пациентов и низкой ожидаемой доходности.

Тем не менее, на примере США можно наблюдать тенденцию к значительному повышению объемов продаж орфанных препаратов: в 2012 г. этот показатель увеличился на 7,1%, до 83 млрд долл. США по сравнению с данными предыдущего отчетного периода. Ожидается, что к 2018 г. мировой рынок орфанных препаратов вырастет до 127 млрд долл. США [8].

В мире накоплен определенный опыт организации эффективной системы лекарственной помощи больным редкими нозологиями. Уже более 10 лет в Европе успешно действует программа, согласно которой предоставляется ряд финансовых и административных льгот для организаций, которые занимаются разработкой и производством орфанных препаратов: осуществляется помощь в составлении протоколов, пошлины на предрегистрационном этапе и в первый год после одобрения снижаются вдвое. Кроме того, предусмотрено проведение ускоренной регистрации, регистрация на основе неполных клинических данных, предоставление эксклюзивных прав на продажу препарата до 7—10 лет. В некоторых странах также существует ограничение торговой наценки для орфанных ЛП. В США расходы на клинические исследования заключительной фазы орфанного ЛП сокращаются почти в 2 раза [2; 4].

К сожалению, в России в настоящее время для большей части редких нозологий стандарты лекарственной терапии отсутствуют. За счет средств федерального бюджета финансируется лишь программа «7 высокочатотных нозологий», прочие редкие заболевания обеспечиваются в рамках региональных программ [1]. Необходимо отметить, что препараты для проведения высокоспецифичной патогенетической терапии имеются для ограниченного числа нозологий, кроме того, наблюдается низкая скорость появления орфанных ЛП на рынке — в среднем 5—6 препаратов в год. Производство таких ЛП осуществляется преимущественно за рубежом.

В российской клинической практике используются ЛП для лечения болезней Гоше, Фабри, Помпе, а также мукополисахаридозов I, II, VI типов и др. В целом лечение каждым препаратом может стоить от 100 тыс. до 1 млн руб. в месяц. Например, стоимость терапии наглазимом (мукополисахаридоз VI) может достигать 21 987 430,40 руб. в год, альдуразимом (мукополисахаридоз I) — 11 259 214,00 руб. в год, церезимом (болезнь Гоше) — 6 027 325,92 руб. в год [4].

Но даже при наличии специфических препаратов в терапии дополнительно может применяться несколько десятков дорогостоящих симптоматических ЛП. Например, в процессе лечения мукополисахаридоза II для проведения ферментозамещающей терапии используется высокоспецифичный препарат Элапраза (стоимость курса лечения составляет около 8 548 000,00 руб. в год на 1 пациента), в симптоматической терапии этого заболевания используют комплекс гепатопротекторов, сердечно-сосудистых и противовоспалительных средств, витаминов и препаратов, улучшающих антиоксидантную защиту и процессы клеточной биоэнергетики, может быть рекомендовано физиотерапевтическое лечение, а также хирургические вмешательства [3].

Одной из важнейших задач стратегии развития системы оказания помощи больным с редкими заболеваниями является совершенствование их ранней диагностики и профилактики. В рамках национального проекта «Здоровье» в РФ все новорожденные проходят неонатальный скрининг на пять наследственных заболеваний: адреногенитальный синдром, галактоземию, муковисцидоз, фенилкетонурию, врожденный гипотиреоз, что позволяет предотвратить инвалидизацию при своевременном начале лечения, а также обеспечивает предупреждение развития симптомов заболевания и улучшает качество жизни пациентов. Согласно данным Минздрава РФ, по итогам обследования ежегодно в среднем более чем у 1000 новорожденных диагностируются подобные заболевания (2012 г. — 1252 детей, 2013 г. — 1190 детей) [9].

Как уже отмечалось, ранняя диагностика, вопросы лечения редких заболеваний являются, помимо медико-социальных, важнейшими экономическими проблемами. Основная нагрузка по созданию системы медицинской и фармацевтической помощи больным редкими заболеваниями приходится на региональные системы здравоохранения и бюджеты.

По итогам реализации долгосрочной целевой программы Омской области «Развитие системы здравоохранения Омской области» на 2010—2015 гг. —

(2012 г.) для проведения неонатального скрининга за год было выделено 0,4% от общей суммы расходов. Обследование прошли 29 416 новорожденных. При этом было выявлено 22 врожденных наследственных патологии: муковисцидоз — 3, фенилкетонурия — 5, адреногенитальный синдром — 4, гипотериоз — 8, галактоземия — 2.

Также из средств областного бюджета по программе 2,8% было выделено для приобретения антигемофильных факторов, необходимых в процессе лечения больных гемофилией (43 ребенка, больных гемофилией, и 4 ребенка с болезнью Виллебранда полностью обеспечены факторами крови для оказания неотложной медицинской помощи), доля средств, выделенных для лечения больных рассеянным склерозом, составила 1,0%, для оказания медицинской помощи детям с редкими генетическими и наследственными тяжелыми заболеваниями — 10,7%.

На территории Омской области в Федеральный регистр включены 152 человека (15 редких нозологий). Наибольшее количество пациентов страдают нарушениями обмена ароматических аминокислот (34,0%) и юношеским артритом с системным началом (15,0%). Все нуждающиеся в лечении в 2013 г. получили лекарственные препараты и специализированные продукты лечебного питания. В программе «7 нозологий» наиболее затратными являются категории: «злокачественные новообразования лимфоидной, кроветворной и родственных им тканей» — 48,7% от общей суммы расходов; «гемофилия» — 26,5%; «рассеянный склероз» — 16,3%. Соотношение затрат в динамике остается приблизительно на одном уровне по сравнению с предыдущими отчетными периодами.

Таблица 1

**Динамика показателей по итогам реализации
федеральной программы «7 нозологий» в Омской области**

Наименование показателей	Темп роста, %						
	2008 г.	2009 г.	2010 г.	2011 г.	2012 г.	2013 г.	средний
Количество граждан, обратившихся за лекарственной помощью	100,0	122,1	105,1	122,2	112,3	120,3	113,3
Динамика объемов отпущенных средств по рецептам	100,0	116,5	102,8	106,9	116,4	121,8	110,4
Динамика отпущенных рецептов	100,0	129,9	117,1	109,8	112,3	119,5	114,4
Средняя стоимость 1 рецепта	100,0	89,7	87,8	97,3	96,4	101,9	95,4
Объем отпущенных средств на 1 обратившегося	100,0	95,4	97,9	87,5	103,7	101,3	97,5

Как видно из табл. 1, средний темп роста количества граждан, получающих лекарственную помощь, составляет 113,3%, что превышает соответствующий показатель для отпущенных по программе средств на 110,4%. За 5 лет количество пациентов увеличилось на 111,8%, объем отпущенных средств на 81,7%, соответственно показатель отпущенных средств на 1 обратившегося снизился на 14,2%. При этом количество выписанных рецептов возросло на 124,1% на фоне снижения их стоимости на 19%.

В последние годы средняя стоимость рецепта несколько возрастает, причем среднее количество рецептов на одного обратившегося остается неизменным. Количество зарегистрированных в федеральном регистре лиц за 5 лет увеличилось на 40,4%, средний темп роста по данному показателю составил 109,3%.

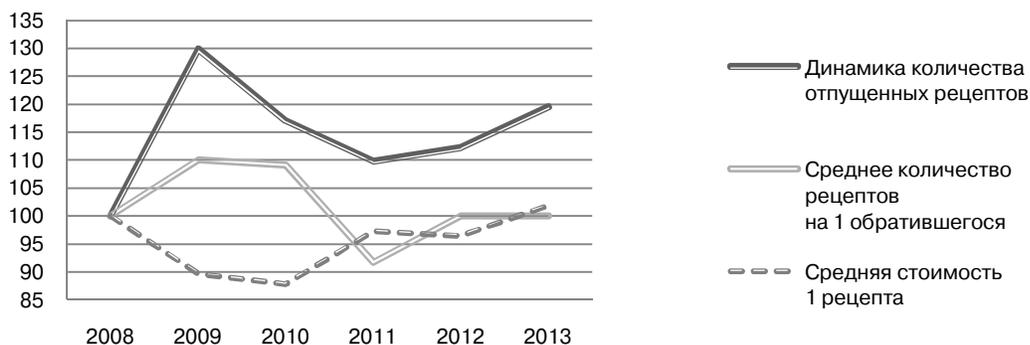


Рис. 2. Динамика темпов роста показателей стоимости и количества рецептов, %

К сожалению, количество больных редкими заболеваниями неуклонно растет, увеличивается соответственно и финансовая нагрузка на федеральный и региональные бюджеты. Вероятно, разрабатываемая в настоящее время система лекарственного возмещения, сможет смягчить эту нагрузку и откроет новые возможности для развития данной области фармацевтической помощи.

ЛИТЕРАТУРА

- [1] Бондарева Т.М., Гордиенко В.В. Институциональные основы лекарственного обеспечения больных социально значимыми заболеваниями на уровне отдельных регионов Российской Федерации // Электронный научный журнал «Современные проблемы науки и образования». 2013. № 3. С. 2—3.
- [2] Бондарева Т.М., Гордиенко В.В., Парфейников С.А. Рынок орфанных препаратов — перспективное направление развития // Международный журнал экспериментального образования. 2013. № 11. С. 193—194.
- [3] Быковченко И. Проблемы и перспективы больных редкими заболеваниями // Ремедиум. 2014. № 3 (205). С. 83.
- [4] Лебедев А.А. Редкие заболевания: проблемы и перспективы их решения // Вестник общественного здоровья и здравоохранения Дальнего Востока России. 2012. № 1. С. 5.
- [5] Кузнецов М.С., Буклешева С.Г., Кашаева С.И. Основные аспекты проблемы редких заболеваний в России и в мире // Журнал «Управление качеством медицинской помощи». 2012. № 1. С. 6.
- [6] Бабияк В.И., Пащинин А.Н., Тулкин В.Н. О редких болезнях // Российская оториноларингология. 2011. № 2 (51). С. 33.
- [7] Журнал «Редкие болезни в России». 2014. № 1. С. 7.
- [8] Abraham R., Buttar R. Changing Lives // International Clinical Trials — ClinTec International. 2013. P. 60.
- [9] Интернет-портал «Министерство здравоохранения РФ». URL.: www.rosminzdrav.ru/news/2014/02/28/1741-den-redkih-zabolevaniy.

SOCIO-ECONOMIC AND REGIONAL ASPECTS OF PHARMACEUTICAL CARE TO PATIENTS WITH RARE DISEASES IN THE OMSK REGION

V.E. Atavin, E.E. Loskutova, M.M. Kurashov

Department of Pharmacy Management and Economics
Peoples' Friendship University of Russia
Miklukho-Maklaya str., 8/2, Moscow, Russia, 117198

L.V. Shukil'

Department of Pharmacy
Ministry of Health of Omsk region
Lenin str., 15, Omsk, Russia, 644099

This article investigates characteristics of the providing pharmaceutical care to patients with rare diseases in Russia, including at the regional level. To improve this system it is useful to study foreign experience in the development, production and registration of orphan drugs.

Key words: rare disease, orphan disease, orphan drugs, 7 nosologies.

REFERENCES

- [1] Bondareva T.M., Gordienko V.V. Institutional bases of medicines provision of patients with socially significant diseases at the level of certain regions of the Russian Federation. Digital scientific journal "Modern problems of science and education". 2013. N 3. P. 2—3.
- [2] Bondareva T.M., Gordienko V.V., Parfeynikov S.A. Orphan drugs market — promising direction of development. International Journal of Experimental Education. 2013. N 11. P. 193—194.
- [3] Bykovchenko I. Problems and prospects of patients with rare diseases. Remedium. 2014. N 3 (205). P. 83.
- [4] Lebedev A.A. Rare diseases: challenges and prospects for their solutions. Public health and health care bulletin of the Russian Far East. 2012. N 1. P. 5.
- [5] Kuznetsov S.I., Buklesheva M.S., Kashayeva S.G. Key aspects of rare diseases in Russia and the world. Management of health care quality journal. 2012. N 1. P. 6.
- [6] Babiyak V.I., Paschinin A.N., Tulkin V.N. About rare diseases. Russian otorhinolaryngology. 2011. N 2 (51). P. 33.
- [7] Journal «Rare diseases in Russia». 2014. N 1. P. 7.
- [8] Abraham R., Buttar R. Changing Lives. International Clinical Trials — ClinTec International. 2013. P. 60.
- [9] Web portal «Ministry of Healthcare of the Russian Federation». URL.: www.rosminzdrav.ru/news/2014/02/28/1741-den-redkih-zabolevaniy.